L'ESSENTIEL
SUR LE RAPPORT D'INFORMATION

Commission des
AFFAIRES SOCIALES
Mission d'évaluation et de contrôle de la sécurité sociale (Mecss)

SÉNAT

De la recherche au patient : refonder le parcours de l'innovation thérapeutique

Alors qu'en 2015, un seul médicament dépassait un coût de traitement annuel de 80 000 euros par patient, ils sont 26 en 2025 à franchir ce seuil, et les 10 traitements les plus coûteux dépassent désormais 195 000 euros par patient et par an. Un médicament, le Keytruda, a engendré plus de 2 milliards d'euros de remboursement en 2024. **Ces chiffres conduisent à s'interroger sur le prix que notre système de santé paye pour les produits de santé, mais également sur la pérennité de notre modèle de prise en charge**.

Par ailleurs, la France, et plus largement, l'Europe, sont victimes d'une inversion des dynamiques d'attractivité pour la recherche clinique. Au milieu des années 2010, la France participait à 10 % des essais industriels interventionnels mondiaux sur le médicament. En 2024, elle ne représentait plus que 2,85 % de ce total. Faute d'adaptation des procédures, de certitude sur les prix et de célérité des délais d'accès, **la France n'est plus considérée comme une zone de lancement prioritaire pour les innovations thérapeutiques**, et ce malgré l'efficacité de l'accès précoce, qui tend à reconfigurer favorablement la situation pour les médicaments.

Dans ce cadre, la mission d'évaluation et de contrôle de la sécurité sociale (Mecss) de la commission des affaires sociales a souhaité enquêter sur les **déterminants de l'attractivité de la recherche clinique en France, sur l'efficience de nos modalités d'évaluation clinique et de fixation du prix des produits de santé et sur l'efficacité de nos modalités de prise en charge dérogatoire des produits innovants**.

La mission a entendu et interrogé plus de 40 acteurs de la recherche, représentants d'industriels et de patients, administrations ou économistes, qui ont tous évoqué un écosystème particulièrement complexe et une situation internationale difficile. Mais tous ont également souligné l'excellence du cadre de recherche français, les succès de nos PME ou encore l'accélérateur d'accès aux innovations que constituent les procédures d'accès dérogatoires.

Elle formule ainsi **27 propositions** visant à **garantir un accès au juste prix des traitements innovants pour les patients**.

JUILLET 2026

Les principales recommandations

1. Simplifier le cadre de la recherche clinique et renforcer la capacité d'inclusion des centres de recherche :

- créer un véritable guichet unique pour les investigateurs et les promoteurs regroupant les différents interlocuteurs institutionnels ;

- revoir la convention unique simplifiée et les clauses contractuelles types entre les établissements et les promoteurs pour établir un cadre lisible, efficace et équilibré ;

- réduire les délais réglementaires en élargissant le dispositif de « *fast-track* » pour les autorisations de lancement des essais cliniques au-delà des seules phases I, et en prévoyant la mise en place de dispositifs similaires pour les dispositifs *in vitro* ;

- développer les essais cliniques décentralisés et hybrides afin d'améliorer l'inclusion des patients, notamment dans les outre-mer.

3. Reconnaître l'investissement clinique en France dans le prix des médicaments et de l'innovation en conditionnant une part du prix à l'inclusion de patients français lors des essais cliniques.

6. Renforcer l'adaptation de la procédure d'évaluation aux produits dont les données d'efficacité ne permettent pas à la Haute Autorité de santé (HAS) de statuer définitivement :

- sous réserve d'un engagement de l'industriel à fournir des données complémentaires, ouvrir la possibilité d'octroyer une évaluation temporaire pour les produits considérés comme n'apportant aucun progrès thérapeutique en l'attente de données complémentaires ;

- instaurer un sursis à statuer de la HAS lorsque les données sont trop immatures.

8. Mieux intégrer l'impact organisationnel et l'apport à la qualité de vie dans la détermination de l'amélioration du service attendu et du service médical rendu :

- amender la doctrine de la commission de la transparence (CT) et de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (Cnedimts) pour réévaluer de manière pragmatique le niveau de preuve attendu pour la démonstration de ces critères ;

- envisager la prise en compte de l'impact organisationnel dans la détermination de l'amélioration du service médical rendu.

9. Instaurer, lors de l'introduction d'un nouveau produit de santé d'ASMR ou d'ASA I à III (amélioration du service médical rendu ou du service attendu), une révision ciblée mais systématique de l'ensemble des ASMR ou ASA des produits comparateurs ou ayant une même visée thérapeutique.

12. Instaurer une « trajectoire de prix » pour les produits de santé innovants, fondée sur un prix de lancement attractif garanti pour une durée dépendant du niveau d'ASMR ou d'ASA et sur des baisses de prix plus marquées au cours de la vie du produit.

14. Limiter la durée de l'accès précoce post-AMM (autorisation de mise sur le marché) à un an après l'évaluation de droit commun de la CT, prolongeable d'au plus six mois sur demande des industriels et avec l'accord du CEPS (comité économique des produits de santé).

17. Rendre plus efficient le suivi des données en vie réelle :

- engager une démarche d'harmonisation et de rationalisation des attendus sur les données en vie réelle afin de permettre leur utilisation effective ;
- développer des rencontres entre les industriels et la HAS pour s'accorder sur la méthodologie et l'utilisation des données ;
- créer une plateforme unique sur laquelle renseigner les données en vie réelle collectées ;
- étendre le champ des professionnels habilités à collecter ces données ;
- engager une réflexion sur les modalités de calcul et de versement de la compensation financière associée.

20. Renforcer l'attractivité et élargir le champ des accès dérogatoires dédiés aux dispositifs médicaux :

- faire reposer la prise en charge transitoire (PECT) sur un principe de libre fixation du prix ;
- assouplir les contraintes sur l'horizon temporel dans lequel doit être susceptible de s'inscrire l'évaluation de droit commun pour l'éligibilité à la PECT et à la prise en charge anticipée numérique (Pecan) ;
- ouvrir la possibilité de renouveler une fois la Pecan ;
- instituer un accès dérogatoire pour les dispositifs médicaux (DM) innovants à usage professionnel.

21. Rendre plus dynamique la gestion de la liste en sus en :

- poursuivant les travaux ébauchés sur la révision des critères d'entrée et de sortie ;
- procédant à une concertation en amont de chaque vague de radiations ;
- tirant systématiquement les conséquences des radiations sur les tarifs des groupes homogènes de séjours (GHS), en fonction de la fréquence d'utilisation des spécialités radiées.

26. Instaurer une publication infra-annuelle d'indicateurs de délais partagés entre HAS, CEPS et industriels permettant un suivi en temps réel du stock de dossiers en cours et des étapes en tension.

I. Renforcer l'attractivité de la France pour la recherche clinique et la production d'innovations thérapeutiques

A. Le décrochage de la recherche française par rapport aux standards internationaux

Les essais cliniques, qui marquent le début de l'administration du produit à l'être humain, sont indispensables à la conception des innovations thérapeutiques. Ils s'inscrivent dans un processus long et rigoureux, pouvant s'étendre sur 10 à 15 ans pour un médicament, depuis la découverte d'une molécule jusqu'à sa commercialisation.

La part de l'Europe dans les essais cliniques industriels mondiaux a diminué de moitié en dix ans, tombant à seulement 12 %. Pendant ce temps, l'Asie capte désormais 63 % des essais mondiaux industriels, portée par l'ascension fulgurante de la Chine. Alors que le volume des essais cliniques dans le monde a triplé en dix ans, **le nombre d'essais cliniques stagne en France autour de 550 par an** sur la même période. Ce ne sont pas que des chiffres, ce sont autant d'innovations qui ne sont pas développées sur notre territoire et autant de patients ainsi privés d'innovations de rupture.

- 23 %

d'études cliniques en France sur des dispositifs médicaux entre 2023 et 2025

Source *: AFCROs,* Chiffres clés de la recherche clinique – Baromètre*, 2026*

La mission a identifié plusieurs goulots d'étranglement participant de la perte d'attractivité de la France dans la recherche clinique. **Premièrement, la recherche en santé est un cas emblématique de complexité organisationnelle et la réglementation est particulièrement lourde**. La multiplication des acteurs et des agences fait de la capacité à se repérer dans l'écosystème de la recherche un facteur discriminant de réalisation des études au détriment, parfois, de l'apport thérapeutique de l'innovation.

Deuxièmement, la France connaît toujours des délais de mise en œuvre des essais cliniques importants, notamment concernant la phase post-autorisation (contractualisation avec les hôpitaux, ouvertures des centres), qui demeure l'un des principaux facteurs de ralentissement des essais conduits en France. Ainsi, le délai d'inclusion du premier patient reste trop élevé : il s'établissait encore à 185 jours en 2025 pour les médicaments.

Troisièmement, le modèle de financement n'est plus adapté à l'agilité nécessaire à la mise en œuvre des innovations. La convention unique repose sur une matrice nationale obligatoire de surcoûts devenue illisible, comportant près de 200 lignes que les promoteurs et investigateurs doivent démultiplier par type d'acte, par patient et par visite, entraînant des coûts de gestion difficilement soutenables.

B. Créer les conditions d'une attractivité renouvelée

Face à ces constats, la France doit pouvoir **s'appuyer sur ses atouts**, en premier lieu l'excellence de son réseau d'Instituts hospitalo-universitaires (IHU) et de centres labellisés de phase précoce (Clip²), **et moderniser en profondeur ses outils d'évaluation et son environnement réglementaire**.

Premièrement, elle doit accélérer massivement les procédures d'autorisation en étendant les dispositifs de « *fast-track* » mis en place en 2026 aux essais de phases II et III et non pas uniquement aux phases initiales des projets de recherche, ainsi qu'aux dispositifs médicaux et de diagnostic *in vitro*.

Deuxièmement, il faut soutenir durablement les équipes hospitalières de recherche et réformer le financement en lançant immédiatement le chantier de refonte de la convention unique et **en conditionnant une part du prix des innovations thérapeutiques à l'intégration de patients français lors des essais cliniques**.

Troisièmement, il est impératif d'améliorer l'adressage et la capacité d'inclusion des centres, en permettant, sur le modèle espagnol, la création d'écosystèmes intégrés, du médecin généraliste aux centres de recherche et en mutualisant les démarches des établissements au sein d'un même essai. La mission considère que le développement des essais décentralisés ou hybrides est un impératif de santé publique permettant d'inclure les patients éloignés des grands centres, notamment en outre-mer.

Quatrièmement, la France doit simplifier son environnement institutionnel par la mise en place d'un véritable guichet unique pouvant accompagner les promoteurs et investigateurs tout au long de leur projet de recherche. **L'organisation administrative ne doit plus avoir d'impact sur la capacité des promoteurs à mettre en œuvre un projet d'essai clinique porteur d'innovation.** Dans ce cadre, les rapporteures s'interrogent sur l'avenir de l'Agence de l'innovation en santé (AIS) dans le cadre de la création d'une nouvelle direction centrale et craignent que le pilotage de l'innovation en santé en France se trouve affaibli au prix d'une simple réorganisation interne des services du ministère de la santé.

Renforcer l'innovation en pédiatrie

La recherche d'innovations thérapeutiques en pédiatrie constitue un enjeu majeur. Les enfants représentent 75 % des patients atteints de maladies rares, pourtant la part de la pédiatrie dans les essais cliniques industriels stagne à un niveau très bas (à peine 7 % des inclusions pédiatriques en oncologie en 2023).

En oncologie, les cancers chez l'enfant représentent environ 0,6 % de l'ensemble des cancers, et touchent chaque année près de 2 300 enfants et adolescents en France. Au Clip² Iliad (Nantes-Angers), seuls 33 essais sur près de 300 concernaient la pédiatrie en 2025, pour 18 enfants inclus contre 525 adultes.

Dans ce cadre, la France doit faire de la recherche pédiatrique une priorité **en facilitant l'inclusion des enfants entre 12 et 17 ans dans les essais conçus pour les personnes majeures**, **en renforçant les coopérations au niveau européen** et en **mettant en place des comités de protection des personnes davantage spécialisés en pédiatrie**.

II. Du progrès thérapeutique à sa juste valorisation : mieux adapter aux spécificités des innovations thérapeutiques les procédures d'évaluation et de fixation des tarifs

A. Un cadre d'évaluation robuste, mais en décalage avec l'accélération de l'innovation thérapeutique

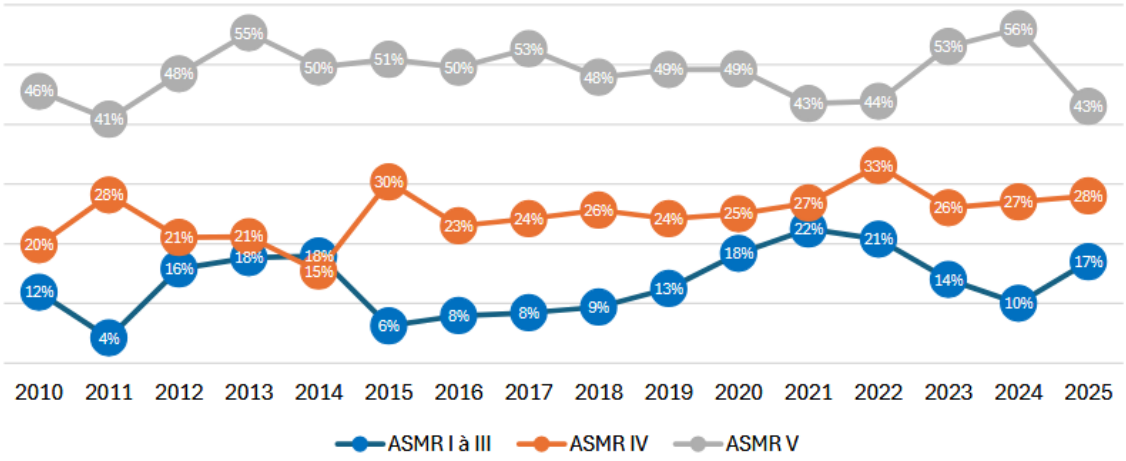
Pour être inscrit à la prise en charge, tout produit de santé doit **suivre une évaluation médico-technique par une commission spécialisée de la Haute Autorité de santé (HAS)** – la commission de la transparence (**CT**) pour les **médicaments** et la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (**Cnedimts**) pour les dispositif médicaux (**DM**). Leurs avis portent, d'une part, sur le service médical rendu (**SMR**) ou le service attendu (**SA**), qui conditionnent **l'accès au remboursement**, et, d'autre part, sur l'amélioration du SMR (**ASMR**) ou du SA (**ASA**), qui **orientent les négociations tarifaires**. Lorsque les produits présentent un enjeu financier important, cette évaluation est complétée par une **analyse médico-économique d'efficience conduite par la CEESP**.

Le SMR et le SA apprécient l'intérêt intrinsèque d'un produit au regard de son efficacité, de sa tolérance, de sa place dans la stratégie thérapeutique, de la gravité de la pathologie concernée et de son intérêt pour la santé publique. À l'inverse, **l'ASMR et l'ASA évaluent exclusivement la valeur ajoutée du produit par rapport aux comparateurs pertinents**. Ces deux indicateurs, gradués de I (**majeure**) à V (**inexistante**), traduisent le **degré d'innovation thérapeutique**, déduit de **démonstrations cliniques comparatives de haut niveau**. Près **d'un médicament sur deux** et **quatre DM sur cinq** reçoivent une **ASMR V** lors de leur première évaluation, sanctionnant une absence de progrès thérapeutique reconnu.

20 %

d'ASA I à IV reconnues **à des DM en primo-inscription** en 2024

Évolution des niveaux d'ASMR attribués à l'évaluation par la CT



***Source** : Rapport d'activité 2025 de la HAS*

Si ce cadre d'évaluation demeure **reconnu pour sa rigueur**, il apparaît **imparfaitement adapté à l'essor des innovations thérapeutiques**. Les **thérapies innovantes** sont fréquemment évaluées sur **la base de données encore immatures**, de **cohortes restreintes** ou de **critères de substitution**, ce qui conduit souvent à **l'attribution d'une ASMR V** ou, plus rarement, d'un SMR insuffisant, non en raison d'une absence de bénéfice clinique, mais **d'une démonstration jugée insuffisamment robuste**.

Cette situation affecte particulièrement les **médicaments destinés aux maladies rares**, dont le taux de SMR insuffisant est 1,5 fois supérieur à la moyenne, ainsi que **certains dispositifs médicaux**, pour lesquels les contraintes rendent **difficile la production des preuves traditionnellement attendues**, inspirées du médicament. Ces évaluations défavorables **compromettent ensuite les négociations tarifaires et retardent, voire empêchent, l'accès des patients aux innovations**.

15 %

de **SMR insuffisants** dans le champ des **maladies rares** en 2025

Face à ces limites, le rapport **souligne les évolutions déjà engagées par la HAS**, notamment la **création du SMR conditionnel**, la distinction, au sein des ASMR V, de celles **attribuées en l'attente de données complémentaires** ou la meilleure prise en compte des comparaisons indirectes. Ces adaptations demeurent toutefois insuffisantes, et l'attribution d'ASMR/ASA V pour immaturité des données **continue de freiner l'accès à certaines innovations**. Pour conserver un **niveau d'exigence scientifique satisfaisant**, il est ainsi proposé une **approche graduée** consistant à instituer une **ASMR/ASA conditionnelle** lorsque les données disponibles **permettent de présumer un bénéfice sans encore l'établir définitivement**, ou d'instaurer un **mécanisme de sursis à statuer** lorsque les données sont trop immatures.

Il importe également de **mieux prendre en compte les critères extra-cliniques** dans l'évaluation des produits de santé. Bien que la **qualité de vie** et, pour les dispositifs médicaux, **l'impact organisationnel** soient déjà reconnus par la HAS, ils demeurent **peu valorisés** en pratique en raison **d'exigences méthodologiques** parfois trop strictes au regard du contexte. Seuls **quatre médicaments** ont ainsi bénéficié, en 2023 et 2024, de la reconnaissance d'un **intérêt de santé publique**. Les rapporteures recommandent donc **d'adapter les doctrines** de la CT, de la Cnedimts et de la CEESP afin de mieux intégrer ces bénéfices, ainsi que les externalités positives des innovations (coûts évités, gains organisationnels), dans l'évaluation.

134 jours

Délai médian d'évaluation par la **CT** en 2025 (84 pour la Cnedimts en 2024)

Les rapporteures préconisent en outre de **renforcer l'accompagnement des industriels**, notamment par le développement des **rencontres précoces**, afin d'améliorer la qualité des dossiers soumis à l'évaluation. Enfin, il convient de **renforcer les moyens humains et financiers de la HAS** afin de réduire les délais d'évaluation et de faire face à la complexification croissante de ses missions.

B. Faire évoluer les modalités de fixation du prix pour mieux reconnaître et valoriser l'innovation

Selon une récente étude de la Fédération européenne des industries pharmaceutiques, la France se situe en 2025 nettement derrière ses voisins européens : l'Allemagne (56 jours), le Royaume-Uni (282 jours) et l'Espagne (479 jours) affichent tous des délais médians inférieurs à ceux observés en France (520 jours). Mais **ces délais de droit commun ne concernent pas les innovations majeures**, **qui bénéficient de dispositifs dérogatoires**. De plus, le délai médian relevant strictement du Comité économique des produits de santé (CEPS) chargé de la négociation du prix (de la réception du dossier à la publication de la convention avec l'industriel) est **descendu de 113 jours en 2021 à 79 jours en 2024**.

+ 72 %

Évolution du coût moyen de développement d'un produit sur les dix dernières années

***Source** : Leem, contribution aux travaux de la mission*

Parallèlement, **malgré des prix publics inférieurs de 13 % à 17 % à la moyenne européenne**, les dépenses augmentent pour atteindre, après déduction des remises et de la clause de sauvegarde[1], 30 milliards d'euros en 2024. Les 20 médicaments les plus remboursés en ville représentent près de 30 % de la dépense globale. La même année, les traitements anticancéreux ont représenté 7,1 milliards d'euros de remboursements nets.

Pour justifier ces coûts importants, le Leem[2] indique qu'en dix ans, le coût moyen de développement d'un produit a augmenté de 72 %, s'élevant à 2,2 milliards d'euros en 2024. **Toutefois, entre 2019 et 2024 aucun produit d'oncologie n'a obtenu d'ASMR I ou II**. En réalité, **l'évolution de la dépense** semble traduire principalement un effet de structure et **un transfert vers des molécules récentes, plus onéreuses, surtout utilisées en combinaisons thérapeutiques**.

Le système des remises permet d'afficher un prix public (ou facial) élevé affiché comme prix de référence à l'international, tout en accordant un prix réel inférieur à l'assurance maladie.

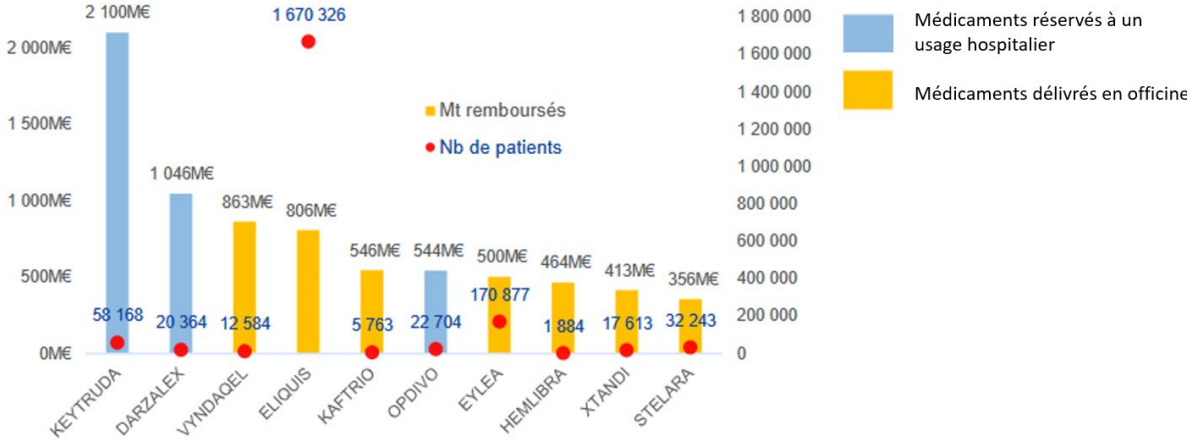
Ces remises sont concentrées sur un faible nombre de produits, souvent innovants. Ainsi, **moins de 6 % des médicaments dont la régulation des prix est assurée par le CEPS font l'objet d'accords conventionnels pouvant donner lieu à versement de remises**.

---

[1] La clause de sauvegarde est un prélèvement sur l'industrie pharmaceutique, applicable quand le montant global des dépenses de médicament dépasse un certain montant, fixé par la LFSS.
[2] Les entreprises du médicament (organisation professionnelle des entreprises du médicament).

Dans un contexte international tendu du fait de la mise en œuvre de politique de la « nation la plus favorisée » par l'administration américaine et alors que **64 % des entreprises estiment que cette politique diffèrera ou annulera effectivement le lancement de nouveaux produits dans notre pays dans les trois ans**, la mise en œuvre, dans le respect des prérogatives des États membres, d'une véritable stratégie d'alliance européenne pour disposer d'une plus grande force de négociation apparaît indispensable.

Médicaments les plus remboursés en montants en intégrant ceux réservés à un usage hospitalier (en 2024)



***Source** : Assurance maladie – Données 2024 ; France entière. Tous régimes – Données brutes (sans déduction des remises CEPS)*

Pour **assurer un juste financement de l'innovation tout en évitant qu'elle ne se transforme en rente**, la mission propose **la mise en place d'une « trajectoire de prix »** pour les produits de santé innovants**, fondée sur un prix de lancement attractif, garanti pour une certaine durée, et sur des baisses de prix plus marquées au cours de la vie du produit**, en fonction de critères clairs (efficacité en vie réelle[1], volumes de vente, concurrence). Elle estime aussi indispensable de mettre en œuvre **des outils de pilotage partagés avec les industriels** afin de mieux identifier les points de blocage dans le traitement des dossiers ainsi que d'anticiper les champs d'innovation prioritaires à venir et l'évolution des dépenses en amont de l'examen de la loi de financement de la sécurité sociale (LFSS).

III. Du laboratoire au patient : garantir un accès rapide, équitable et équilibré aux innovations de santé

A. Les dispositifs d'accès dérogatoires : des outils indispensables à préserver pour garantir un accès anticipé à l'innovation ; une lisibilité, une articulation et une efficience à perfectionner

185 000

patients ayant bénéficié d'une mise à disposition anticipée par l'accès précoce ou l'accès direct

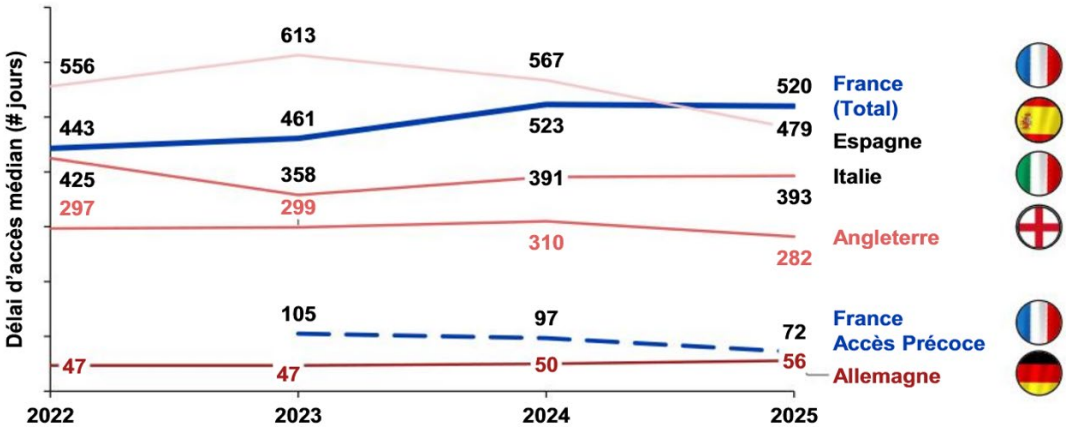
Face au **risque de perte de chance**[2] induit par les **délais de mise à disposition des produits de santé**, la France s'est dotée de procédures d'accès dérogatoires, permettant une prise en charge pour les patients avant toute inscription sur les listes de remboursement.

Les accès dérogatoires aux médicaments, réformés en 2021, constituent un **atout de premier plan** pour assurer une **mise à disposition anticipée** des innovations pour les patients.

[1] Une évaluation « en vie réelle » s'appuie sur des études observationnelles en conditions de pratique courante.
[2] La perte de chance est la disparition de la probabilité qu'un événement favorable se réalise (ici, une meilleure santé du patient).

• Le principal d'entre eux, **l'accès précoce**, garantit une **prise en charge intégrale et anticipée de médicaments présumés innovants, avant ou après l'octroi de leur autorisation de mise sur le marché (AMM), pour des patients en impasse thérapeutique**. Il repose sur un **équilibre vertueux**, qui inspire même **au-delà des frontières françaises**. Quelque **140 000 patients** ont bénéficié, grâce à lui, d'un **accès anticipé de plus d'un an en médiane** à un nouveau traitement, indépendamment de l'établissement dans lequel ils sont traités ou de leurs revenus.

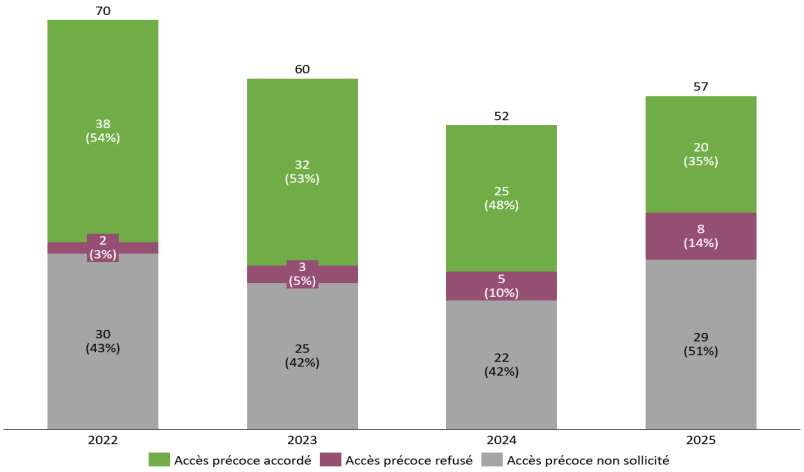
Délais d'accès au marché médians en Europe pour une primo-inscription sur les listes



***Source** : Leem*

L'accès précoce constitue, en outre, un **facteur d'attractivité majeur pour les industriels**, en permettant une **exploitation anticipée de leur médicament**, à un **prix librement fixé** qui peut servir **d'ancrage pour les négociations tarifaires**, en France comme à l'étranger. Ainsi, **près des deux tiers** des médicaments évalués comme présentant une **ASMR I à III** en 2025 étaient **déjà pris en charge au préalable en accès précoce**. Le coût pour l'assurance maladie apparaît, quant à lui, **contenu**, avec **348 millions d'euros en 2023**, grâce à l'application de **remises**, notamment la **remise de débouclage**, qui conduit l'industriel à **rembourser le trop-perçu** lié à la facturation à tarif libre pendant la période d'accès précoce.

Recours à l'accès précoce des médicaments évalués comme présentant une ASMR I à IV entre 2022 et 2025



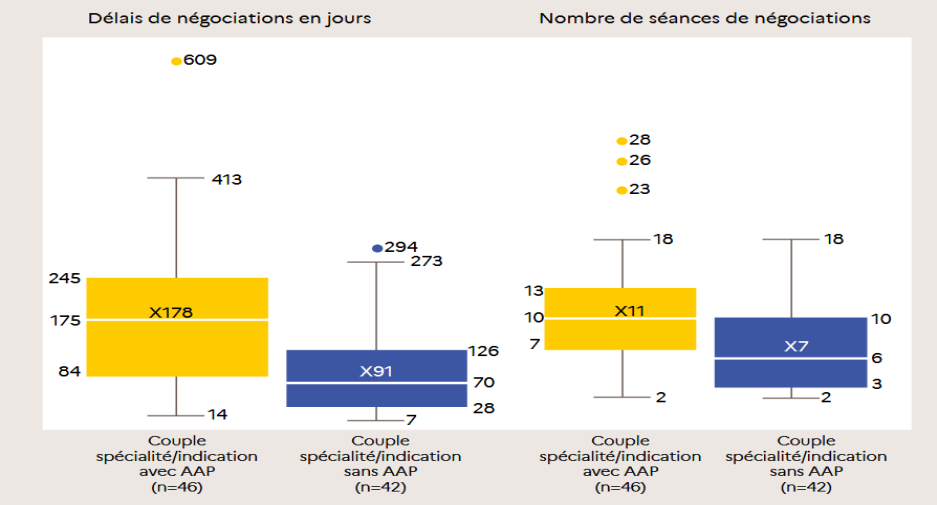
***Source** : Mecss d'après les données du Leem*

Il convient donc de **ne pas bouleverser l'édifice construit** autour de l'accès précoce, qui constitue aujourd'hui la **pierre angulaire** de notre politique en faveur de l'innovation en santé.

Pour autant, le **risque** que l'accès précoce soit **détourné pour peser dans les négociations tarifaires** menace sa soutenabilité. La prise en charge anticipée du médicament, à tarif libre qui plus est, peut inciter l'industriel à profiter de cette situation pour **laisser s'enliser les négociations tarifaires** et en **tirer le prix le plus avantageux**, entraînant des **pourparlers médians plus de deux fois plus longs en accès précoce**. S'ensuivent un **retard dans**

l'inscription du médicament au remboursement de droit commun, un **surcoût lié tant à l'allongement de l'accès précoce qu'au prix de droit commun plus intéressant** que peut parvenir à négocier l'industriel, et un **risque de perte de réactivité du dispositif** consécutif à **l'engorgement de la HAS par des demandes de renouvellement**, qui représentent déjà aujourd'hui plus de 40 % des dossiers traités.

Délais et nombre de séances de négociation tarifaire pour les couples spécialités/indication ayant bénéficié ou non d'un accès précoce



***Source** : Ministère de la santé*

Une **évolution apparaît donc indispensable**. Plutôt que de faire courir des **risques démesurés sur l'attractivité du dispositif** en supprimant l'accès précoce post-AMM, comme l'a proposé le Gouvernement lors du dernier PLFSS, les rapporteures préconisent de **limiter à un an l'accès précoce post-AMM**, une durée suffisante pour offrir un cadre de négociation équilibré et serein pour toutes les parties.

Un autre **axe majeur de progression** concerne la **collecte des données en vie réelle**. Dans bien des cas, la **faible assiduité dans leur recueil**, très chronophage pour les équipes hospitalières, fait **obstacle à leur valorisation dans le cadre de l'évaluation** du médicament par la HAS, qui en constitue pourtant l'objectif assigné. Il convient donc de **faire des données en vie réelle un véritable outil d'aide à la décision**, plutôt qu'une contrainte administrative dont **la lourdeur finit par nuire à l'efficacité**. Pour ce faire, les rapporteures plaident pour une **réforme pragmatique du dispositif**, en concentrant le recueil sur les **données réellement utiles à l'évaluation**, en **harmonisant les exigences méthodologiques**, et en **dédommageant mieux les établissements de santé**.

• **L'accès direct** permet une prise en charge des médicaments innovants **entre l'évaluation par la HAS et l'inscription sur les listes** de remboursement. Il a connu un **écho nettement moindre**, puisque **seules neuf spécialités ont été admises**, à ce jour, dans le dispositif expérimental, alors que **37 autres médicaments éligibles ont opté pour un accès précoce**. Parce que l'accès direct leur semble avoir toute sa place comme **dispositif de « jonction »** avec le droit commun, les rapporteures proposent de le **pérenniser** tout en **revalorisant son attractivité absolue**, par l'extension de son champ aux **extensions d'indication en ville**, et **relative**, en **rapprochant les conditions de négociation tarifaire**, jugées trop contraignantes, de celles qui prévalent pour l'accès précoce.

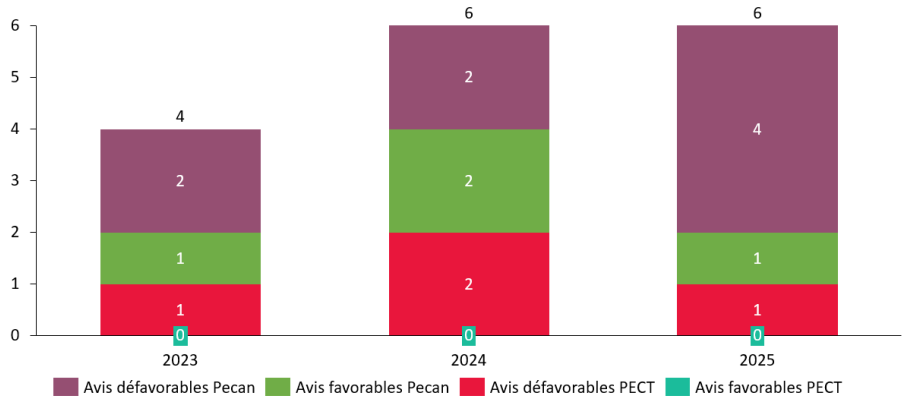
37

spécialités éligibles à l'accès direct ont préféré recourir à l'accès précoce entre 2023 et 2025

• Pour ce qui concerne les **accès dérogatoires aux dispositifs médicaux** – la prise en charge transitoire (**PECT**), pour les dispositifs médicaux **classiques**, et la prise en charge anticipée (**Pecan**), réservée aux **DM numériques** – le constat est **nettement plus mitigé**.

Des **modalités tarifaires peu attractives** et des **critères d'attribution restrictifs**, enserrés dans **des délais rigides**, expliquent la très faible mobilisation de ces dispositifs. Seuls **quatre dossiers de PECT et 12 de Pecan** ont été déposés depuis 2023, et **aucune demande de PECT n'a fait l'objet d'un avis favorable depuis cette date**.

Évolution et sort des demandes de PECT et Pecan depuis 2023



***Source** : Mecss d'après les rapports d'activité de la Cnedimts*

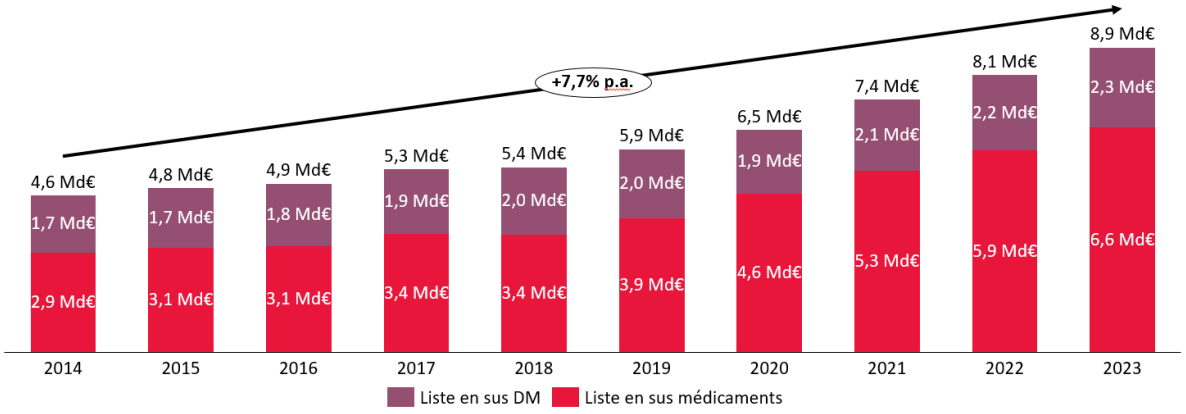
Les rapporteures souhaitent un **choc d'attractivité pour ces accès dérogatoires**, fondé sur deux piliers : la **liberté tarifaire dans le cadre de la PECT**, qui permettra également de **raccourcir des délais d'instruction excessifs**, et une **plus grande souplesse dans les critères d'éligibilité**, notamment au niveau de la maturité des DM concernés

B. Répondre au défi de la soutenabilité de la liste en sus tout en préservant l'accès des patients aux innovations thérapeutiques

Dans le cas des établissements de santé, la **liste en sus permet à l'assurance maladie de financer**, en dehors des groupes homogènes de séjours (**GHS**), les **produits de santé** dont le coût ou l'hétérogénéité d'usage le justifient. Ce dispositif, **central dans l'accès des patients aux traitements innovants** inscrits au remboursement, remplit une **fonction d'équité essentielle** en garantissant l'accès à l'innovation indépendamment du lieu de vie, de l'établissement ou de la situation financière du patient.

Le pilotage de la liste en sus se heurte toutefois aujourd'hui à un **enjeu de soutenabilité** financière, et sa **propension à soutenir l'innovation**, qui constitue pourtant sa raison d'être, **mérite d'être remise en question**.

Évolution des dépenses brutes des produits de santé sur la liste en sus depuis 2014



***Source** : Mecss d'après les données de la Drees*

Le **montant** pris en charge au titre de la liste en sus atteint en effet près de **8,9 milliards d'euros en 2025**, dont 6,6 milliards d'euros pour les médicaments, avec un taux de croissance moyen de 7,7 % par an depuis 2014. Cette dépense est en outre **très concentrée** : les **dix spécialités les plus coûteuses** représentent **près des deux tiers de la dépense annuelle**.

Or cette dynamique est **tirée à titre principal non plus par l'arrivée de nouvelles innovations**, mais par les **extensions d'indication** et par **l'insuffisance des radiations**. Le nombre de molécules inscrites sur la liste a **plus que doublé en vingt ans**, porté par l'inclusion de **génériques ou biosimilaires** de médicaments qui ne présentent plus de caractère **innovant**.

19 %

Part de la liste en sus dans les dépenses totales de médicament en 2024

Aussi, des **campagnes de radiation** ont eu lieu en 2022, 2023 et 2026, mais **sans concertation**, alors même que ces décisions ont des répercussions directes sur l'organisation des prises en charge. De surcroît, **l'absence de réintégration tarifaire** des produits radiés dans les tarifs des GHS en 2023 a contraint les établissements à supporter des **dépenses supplémentaires** dans un contexte budgétaire particulièrement contraint.

Il est donc essentiel de **rendre la gestion de la liste en sus réellement dynamique**, en poursuivant les travaux déjà engagés sur la **révision des critères d'entrée et de sortie**, en réalisant une **concertation systématique en amont** de chaque vague de radiations, et en **réintégrant systématiquement** les radiations dans les tarifs des GHS, modulée selon la fréquence réelle d'utilisation du produit par les établissements.

Les rapporteures ont **délibérément écarté** l'idée de conditionner l'inscription à un **niveau d'ASMR élevé**, un tel critère **risquant d'exclure du dispositif la majorité des innovations**, notamment dans le champ des maladies rares. En revanche, les rapporteures préconisent de **réévaluer systématiquement les niveaux d'ASMR et d'ASA des comparateurs** lors de l'arrivée de nouvelles innovations, afin de maintenir une **hiérarchie cohérente du progrès thérapeutique** et de **conforter la gestion active de la liste en sus**.

Par ailleurs, puisque c'est l'élargissement progressif du périmètre d'usage, plus que l'arrivée de nouveaux produits, qui alimente la croissance de la dépense, le **recours aux clauses de « *capping* »**, qui plafonnent le chiffre d'affaires, ou aux **clauses prix-volume doit être développé** pour les produits à risque d'extension d'indication.

POUR EN SAVOIR PLUS

Consulter la page de la mission d'information.

Philippe MOUILLER
Président
Deux-Sèvres
Les Républicains

Alain MILON
Président de la Mecss
Rapporteur
Vaucluse
Les Républicains

Corinne IMBERT
Rapporteure
Charente-Maritime
Les Républicains

Cathy APOURCEAU-POLY
Rapporteure
Pas-de-Calais
Communiste Républicain Citoyen et Écologiste - Kanaky

Émilienne POUMIROL
Rapporteure
Haute-Garonne
Socialiste, Écologiste et Républicain

contact.sociales@senat.fr 01.42.34.31.34 www.senat.fr